

Scuola Superiore di Catania

*Corso Specialistico
Classe delle Scienze Sperimentali
Ambito Scienze della Vita
a.a. 2020-2021*

La malattia di Alzheimer: dalla ricerca preclinica allo sviluppo di farmaci innovativi

Alzheimer's disease: from preclinical studies to the development of innovative drugs

Lo studio dei meccanismi patogenetici delle demenze ed in particolare della malattia di Alzheimer rappresenta una tappa essenziale per l'identificazione di nuovi target farmacologici e per il disegno e la sintesi di farmaci ad azione neuroprotettiva con nuovi meccanismi d'azione ed una maggiore efficacia clinica nelle demenze. La ricerca farmacologica è progressivamente cambiata negli ultimi anni e nuovi approcci sono oggi disponibili nei processi di "drug discovery" e "drug delivery", come l'utilizzo dei biomarcatori, per migliorare l'efficacia e la tollerabilità dei farmaci esistenti e consentire lo sviluppo di nuove molecole in grado di interferire direttamente con i processi patogenetici propri delle demenze.

La ricerca traslazionale nell'area dell'AD è finalizzata all'identificazione di nuovi biomarcatori e di nuovi target farmacologici. L'approccio traslazionale nell'area dell'AD prevede: i) una prima fase di ricerca nei modelli animali e nei modelli sperimentali di malattie neurodegenerative dove vengono individuati i target farmacologici e possono essere individuati farmaci ad attività neuroprotettiva; ii) una seconda fase di ricerca clinica in cui i biomarcatori svolgono un ruolo essenziale per lo sviluppo di farmaci "disease-modifying". Gli studi clinici in quest'area sono disegnati con l'obiettivo di identificare nuovi markers genetici e biologici in grado di predire il rischio di sviluppare demenza di tipo AD o vascolare. L'individuazione della fase precoce della malattia rappresenta infatti, allo stato attuale, una tappa essenziale per l'identificazione dei soggetti a rischio e la pianificazione di strategie di prevenzione secondaria del deterioramento cognitivo dell'AD nella sua fase precoce.

Scopo del corso è fornire sia una conoscenza dei principi di base della ricerca traslazionale nell'AD con particolare attenzione alla ricerca in vivo sia fornire le più

recenti evidenze nel campo dei fattori di rischio e dei marcatori biologici e psicologici dell'AD necessari per una medicina di precisione e per lo sviluppo di farmaci in grado di rallentare il decorso di questa patologia.

Il programma del corso specialistico di *"La malattia di Alzheimer: dalla ricerca preclinica allo sviluppo di farmaci innovativi"* prevede complessivamente tre moduli di 10 ore dedicati a tre differenti aree tematiche.

Il primo di questi moduli, tenuto dalla Prof.ssa Daniela Puzzo (Università degli Studi di Catania), fornirà le conoscenze di base sulla metodologia della ricerca preclinica con particolare riferimento allo studio delle funzioni cognitive nei modelli animali di Alzheimer.

Un secondo modulo, tenuto dal Prof. Fabio Tascetta (Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia; 5 ore) e dalla Prof.ssa Sabrina Castellano (Università degli Studi di Catania; 5 ore) sarà dedicato all'analisi dei nuovi fattori di rischio dell'AD ed allo studio delle nuove strategie psicometriche per la diagnosi dell'AD. In particolare il Prof. Fabio Tascetta analizzerà il ruolo della neuro infiammazione e della depressione come nuovi fattori di rischio per lo sviluppo dell'AD, mentre la Prof.ssa Castellano esaminerà i nuovi protocolli psicometrici per la diagnosi precoce dell'AD.

Il terzo modulo del corso (10 ore), sarà tenuto sia dal Dr. Simone Lista (Sorbonne University,) e sarà dedicato ad illustrare i nuovi principi della "farmacologia di precisione" ed il ruolo essenziale dei biomarcatori sia nella diagnosi precoce che nel trattamento farmacologico dell'AD con particolare riferimento allo sviluppo di nuove molecole in grado di interferire direttamente con i processi patogenetici propri dell'AD.

Il corso prevederà inoltre una fase di lavoro a piccoli gruppi (due ore) sul topic del "nuovi farmaci disease-modifying in fase II/II di sviluppo" coordinata dal Prof. Caraci ed infine una verifica finale di apprendimento (3 ore) al fine di valutare se gli allievi hanno appreso i principi di base della ricerca traslazionale nell'AD ed il possibile ruolo dei biomarcatori nel processo di sviluppo di farmaci innovativi per il trattamento dell'AD.